

Theriva Biologics anuncia la designación de medicamento huérfano concedida por la Comisión Europea al VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma

La Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) ya ha concedido previamente las designaciones de fármaco huérfano y de fármaco pediátrico poco frecuente para el VCN-01 para el tratamiento de niños con retinoblastoma

Theriva Biologics (NYSE American: TOVX), («Theriva» o la «Empresa»), una empresa de fase clínica que desarrolla terapias diseñadas para tratar el cáncer y enfermedades relacionadas en áreas de gran carencia, ha anunciado hoy que la Comisión Europea ha adoptado la recomendación de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) de conceder la designación de medicamento huérfano al principal candidato clínico VCN-01, el adenovirus oncolítico sistémico, selectivo y degradador del estroma de Theriva para el tratamiento del retinoblastoma. La Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) ya ha concedido previamente las designaciones de fármaco huérfano y de fármaco pediátrico poco frecuente para el VCN-01 para el tratamiento de niños con retinoblastoma.

«Estamos muy satisfechos con la concesión de la designación de medicamento huérfano al VCN-01 por parte de la Comisión Europea, lo que pone de relieve la urgente necesidad de nuevas opciones de tratamiento para los pacientes con retinoblastoma», afirmó Steven A. Shallcross, consejero delegado de Theriva Biologics. «Anteriormente hemos comunicado resultados alentadores de un ensayo de Fase I patrocinado por investigadores que evaluó la seguridad y la actividad del VCN-01 por vía intravítrea en pacientes pediátricos con retinoblastoma refractario, y estamos trabajando estrechamente con los principales médicos y organismos reguladores de todo el mundo para perfeccionar nuestra estrategia clínica para el VCN-01 como complemento de la quimioterapia en niños con esta difícil enfermedad».

La EMA recomienda la designación de huérfano a los productos destinados para tratar, prevenir o diagnosticar una enfermedad potencialmente mortal o crónicamente debilitante y cuya prevalencia en la Unión Europea (UE) no supere 5 de cada 10 000 o cuya comercialización probablemente no generaría suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria para su desarrollo. Además, no debe existir ningún método autorizable de diagnóstico, prevención o tratamiento de la enfermedad o, en caso de existir tal método, el medicamento debe suponer un beneficio significativo para los afectados por la enfermedad. La designación de fármaco huérfano está diseñada para proporcionar a los desarrolladores de fármacos diversos beneficios para apoyar el desarrollo de terapias novedosas, incluida la exclusividad de mercado durante diez años una vez que reciban la autorización de comercialización en la UE, asistencia protocolaria, asistencia administrativa y de procedimiento, y tasas reducidas para actividades reguladoras.

Acerca del retinoblastoma

El retinoblastoma es un tumor que se origina en la retina y es el tipo de cáncer ocular más frecuente en niños. Se presenta en aproximadamente 1/14 000 - 1/18 000 recién nacidos con vida y representa el

15 % de los tumores en la población pediátrica <1 año de edad. La edad media de los pacientes pediátricos en el momento del diagnóstico es de 2 años, y rara vez se presenta en niños mayores de 6 años. En Europa, el retinoblastoma tiene una tasa de incidencia estimada de 1 por cada 13 844 nacidos vivos (14,1 por millón de niños menores de 5 años) y aproximadamente 300 niños son diagnosticados cada año (Stacey et al. 2021). Preservar la vida y evitar la pérdida de un ojo, la ceguera y otros efectos graves del tratamiento que reducen la esperanza o la calidad de vida del paciente, siguen siendo retos difíciles. Además, los niños con retinoblastoma tienen más probabilidades de perder el ojo y morir de enfermedad metastásica en los países de bajos recursos.

Sobre VCN-01

VCN-01 es un adenovirus oncolítico diseñado para replicarse de forma selectiva y agresiva dentro de las células tumorales, y para degradar la barrera del estroma tumoral que sirve de importante barrera física e inmunosupresora al tratamiento del cáncer. Este modo de acción único permite al VCN-01 ejercer múltiples efectos antitumorales al (i) infectar y lisar selectivamente las células tumorales; (ii) mejorar el acceso y la perfusión de los productos de quimioterapia coadministrados; y (iii) aumentar la inmunogenicidad del tumor y exponerlo al sistema inmunitario del paciente y a los productos de inmunoterapia coadministrados. La administración sistémica permite al VCN-01 ejercer sus acciones tanto en el tumor primario como en las metástasis. El VCN-01 se ha administrado a más de 140 pacientes hasta la fecha en ensayos clínicos sobre distintos tipos de cáncer, como el PDAC (en combinación con quimioterapia), el carcinoma de células escamosas de cabeza y cuello (con un inhibidor de puntos de control inmunitario), el cáncer de ovario (con terapia celular CAR-T), el cáncer colorrectal y el retinoblastoma (mediante inyección intravítrea). Para obtener más información sobre estos ensayos clínicos, visite [Clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov).

Acerca de Theriva Biologics, Inc.

Theriva Biologics (NYSE American: TOVX) es una empresa diversificada de fase clínica que desarrolla terapias diseñadas para tratar el cáncer y enfermedades relacionadas en áreas de gran carencia. Theriva Biologics, S.L., filial española participada íntegramente por la Empresa, ha estado desarrollando una nueva plataforma de adenovirus oncolíticos diseñada para la administración intravenosa, intravítrea y antitumoral con el fin de desencadenar la muerte de las células tumorales, mejorar el acceso de las terapias oncológicas coadministradas al tumor y promover una respuesta antitumoral sólida y sostenida por parte del sistema inmunitario del paciente. Además del VCN-01, los candidatos en fase clínica de la Empresa incluyen (1) SYN-004 (ribaxamasa) que está diseñado para degradar ciertos antibióticos betalactámicos de uso común IV dentro del tracto gastrointestinal (GI) para evitar daños en el microbioma, limitando así el crecimiento excesivo de organismos patógenos como los ERV (enterococos resistentes a la vancomicina) y reduciendo la incidencia y la gravedad de la enfermedad aguda de injerto contra huésped (EICH aguda) en los receptores de trasplantes alogénicos de células hematopoyéticas (TCH); y (2) SYN-020, una formulación oral recombinante de la enzima fosfatasa alcalina intestinal (FAI) producida en condiciones GMPc y destinada a tratar enfermedades tanto GI locales como sistémicas. Para obtener más información, consulte el sitio web de Theriva Biologics en www.therivabio.com.

Declaraciones prospectivas

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas en el sentido de la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995. En algunos casos, las declaraciones prospectivas pueden identificarse por términos como «puede», «debería», «potencial», «continuar», «espera», «anticipa», «pretende», «planea», «cree», «estima» y expresiones similares, e incluyen declaraciones relativas a la

continuación de la estrecha colaboración con los principales médicos y organismos reguladores con el fin de perfeccionar la estrategia clínica de la empresa para el VCN-01 como complemento de la quimioterapia en pacientes pediátricos con retinoblastoma avanzado y los beneficios potenciales que pueden obtenerse de la concesión de la designación de fármaco huérfano. Estas declaraciones prospectivas se basan en las expectativas y suposiciones de la dirección en la fecha de este comunicado de prensa y están sujetas a una serie de riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de predecir y podrían provocar que los resultados reales difirieran sustancialmente de las expectativas y suposiciones con respecto a las establecidas o implícitas en cualquier declaración prospectiva. Los factores importantes que podrían hacer que los resultados reales difirieran sustancialmente de las expectativas actuales incluyen, entre otros, la capacidad de la Empresa para abordar la necesidad médica no cubierta de tratamientos para el retinoblastoma pediátrico; la capacidad de la Empresa para aprovechar los beneficios potenciales de la designación de fármaco huérfano; la capacidad de la Empresa para alcanzar los hitos clínicos cuando se prevea; los candidatos a productos de la Empresa que demuestren seguridad y eficacia, así como resultados que sean coherentes con los resultados anteriores; la capacidad de llevar a cabo los ensayos clínicos a tiempo y lograr los resultados y beneficios deseados, continuando la inscripción en los ensayos clínicos según lo previsto; la capacidad de obtener la aprobación reglamentaria para la comercialización de los productos candidatos o de cumplir los requisitos reglamentarios en curso, las limitaciones reglamentarias relativas a la capacidad de la Empresa para promover o comercializar sus productos candidatos para las indicaciones específicas, la aceptación de los productos candidatos en el mercado y el éxito del desarrollo, la comercialización o la venta de los productos de la Empresa, los desarrollos de los competidores que hagan que dichos productos queden obsoletos o no sean competitivos, la capacidad de la Empresa para mantener los acuerdos de licencia, el mantenimiento y crecimiento continuos del patrimonio de patentes de la Empresa, la capacidad para seguir contando con una buena financiación y otros factores descritos en el informe anual de la empresa en el formulario 10-K para el ejercicio finalizado el 31 de diciembre de 2023 y en sus demás documentos presentados ante la SEC, incluidos los informes periódicos posteriores en los formularios 10-Q y los informes actuales en el formulario 8-K. La información contenida en este comunicado se proporciona únicamente a fecha de este comunicado y Theriva Biologics no asume ninguna obligación de actualizar las declaraciones prospectivas expresadas en este comunicado de prensa, ya sea a causa de una nueva información, acontecimientos futuros o por cualquier otro motivo, a menos que así lo estipule la ley.

Datos de contacto:

Chris Calabrese
LifeSci Advisors, LLC
917-680-5608

Nota de prensa publicada en: [Rockville, Maryland](#)

Categorías: [Internacional](#) [Medicina](#) [Industria Farmacéutica](#) [Investigación Científica](#) [Otras Industrias](#)

NotasdePrensa

<https://www.notasdeprensa.es>